

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター  
精神・神経疾患研究開発費

## ジストロフィン欠損モデル動物を基盤とした 筋ジストロフィーの新しい治療法開発

### 平成 29 年度 研究班会議プログラム

主任研究者 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター  
神経研究所 遺伝子疾患治療研究部  
武田 伸一

日時 平成 29 年 12 月 5 日 (火) 10:00~17:20  
平成 29 年 12 月 6 日 (水) 9:00~16:10

会場 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター  
教育研修棟 ユニバーサルホール  
〒187-8551 東京都小平市小川東町 4-1-1  
TEL 042-341-2712(内線 6011)教育研修棟・管理室

- ◆ 開演 30 分前より受け付けを開始します。各セッション開始予定時刻の 30 分前までに試写の上、データをスライド受付係にご提出下さい。なお、プロジェクターは液晶のみです。
- ◆ 6 日 11 時 30 分より班員会議を行います。(場所:教育研修棟ユニバーサルホール 多目的室) 班員または代理の方は必ずご出席下さい。

## 第1日目 平成29年12月5日(火)

開会の挨拶 10:00~10:10 主任研究者 武田 伸一

Session I 特別講演 1 10:10~11:00 座長 武田 伸一

1. 厳密な立体構造認識に基づく核酸医薬の機能制御 【招待発表者】

○和田 猛

(東京理科大学 薬学部 生命創薬科学科)

\*\*\*\*\* 休憩 11:00~11:05 \*\*\*\*\*

Session II 筋生物学・microRNA 11:05~12:35 座長 北條 浩彦/二川 健

2. 温熱刺激による骨格筋の応答・適応 【招待発表者】

○田村 優樹

(日本体育大学 総合スポーツ科学研究センター/運動生理学研究室)

3. サルコメア収縮の蛍光イメージングと光操作技術の開発 【招待発表者】

○大山 廣太郎<sup>1,2</sup>, 新谷 正嶺<sup>3</sup>, 塚本 精一<sup>2</sup>, 小比類巻 生<sup>2</sup>, 下澤 東吾<sup>4</sup>, 鈴木 団<sup>1,5</sup>, 石渡 信一<sup>6</sup>, 福田 紀男<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>国立研究開発法人科学技術振興機構 さきがけ,<sup>2</sup>東京慈恵会医科大学 細胞生理学講座,<sup>3</sup>東京大学大学院 理学系研究科,<sup>4</sup>東京大学 理学部技術部,<sup>5</sup>大阪大学 蛋白質研究所,<sup>6</sup>早稲田大学理工学術院 先進理工学研究科)

4. 筋分化を促進させる機能性RNAの解析

—若齢マウス高発現 miRNA のマウス筋芽細胞等に与える筋分化・再生効果—

北條 浩彦<sup>1</sup>, ○福岡 聖之<sup>1</sup>, 伊藤 尚基<sup>2</sup>, 武田 伸一<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 神経薬理研究部,<sup>2</sup>遺伝子疾患治療研究部)

5. 血清中のエクソソームを介した骨格筋特異的 microRNA による筋再生および脳神経保護作用に着目した筋ジストロフィー新規治療法の開発

—Smpd3 遺伝子ノックアウトによる mdx マウスにおける骨格筋再生効果及び不安行動への影響—

橋戸 和夫<sup>1</sup>, ○松坂 恭成<sup>2</sup>, 大島 淑子<sup>1</sup>, 谷端 淳<sup>3</sup>, 山本 大輔<sup>4</sup>, 関口 正幸<sup>4</sup>, 井上 高良<sup>5</sup>, 井上—上野 由紀子<sup>5</sup>, 宮武 正太<sup>6</sup>, 青木 吉嗣<sup>6</sup>, 武田 伸一<sup>6</sup>

(<sup>1</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 ラジオアイソトープ管理室, <sup>2</sup>国立国際医療研究センター研究所 遺伝子診断治療開発研究部, <sup>3</sup>東京慈恵会医科大学 細胞生理学講座, <sup>4</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第四部, <sup>5</sup>疾病研究第六部, <sup>6</sup>遺伝子疾患治療研究部)

6. 無重力(Unloading)ストレスによる筋細胞のシグナルトランスダクション 【招待発表者】

○二川 健<sup>1</sup>, 内田 貴之<sup>1</sup>, 真板 綾子<sup>1</sup>, 中尾 玲子<sup>1</sup>, 平坂 勝也<sup>2</sup>, 小林 剛<sup>3</sup>, 曾我部 正博<sup>3</sup>, 武田 伸一<sup>4</sup>

(<sup>1</sup>徳島大学 大学院医歯薬学研究部 生体栄養学, <sup>2</sup>長崎大学 海洋未来イノベーション機構, <sup>3</sup>名古屋大学 大学院医学研究科, <sup>4</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

\*\*\*\*\* 昼 食 12:35~13:45 \*\*\*\*\*

Session III 骨格筋を中心とした臓器連関 13:45~14:30 座 長 田中 廣壽

7. メカノ-メタボ カプリングに関する研究

—新たな筋萎縮・生活習慣病治療法の開発にむけて—

田中 廣壽, ○清水 宣明, 山崎 広貴

(東京大学 医科学研究所 附属病院 抗体・ワクチンセンター 免疫病治療学分野)

8. 代謝と運動による骨格筋量の制御のメカニズム 【招待発表者】

○小川 渉, 平田 悠, 野村 和弘

(神戸大学大学院医学研究科 糖尿病・内分泌内科)

\*\*\*\*\* 休 憩 14:30~14:40 \*\*\*\*\*

9. 骨格筋幹細胞研究を起点とした移植細胞創成技術の開発

—骨格筋幹細胞の維持機構—

○深田 宗一郎<sup>1</sup>, 張 礫丹<sup>1</sup>, 野口 裕太郎<sup>1</sup>, 上住 聡芳<sup>2</sup>, 鈴木 友子<sup>3</sup>, 武田 伸一<sup>3</sup>

(<sup>1</sup>大阪大学大学院薬学研究科 細胞生理学分野, <sup>2</sup>東京都健康長寿医療センター研究 運動器医学研究, <sup>3</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

10. 筋ジストロフィー治療法開発のための基盤となるヒト筋細胞の特性解析

—分泌因子による未分化筋細胞の機能調節—

○橋本 有弘

(国立長寿医療研究センター 研究所 再生再建医学研究部)

11. 3D イメージングを用いた血管ニッチによる骨格筋幹細胞維持の解析

【招待発表者】

○朝倉 淳

(ミネソタ大学幹細胞研究所)

\*\*\*\*\*

コーヒーブレイク

15:30~15:50

\*\*\*\*\*

12. 筋ジストロフィー治療のための間葉系前駆細胞制御法開発

—筋の病的変性を抑制する手法の開発—

○上住 聡芳<sup>1</sup>, 上住 円<sup>1</sup>, 深田 宗一郎<sup>2</sup>, 笠井 健広<sup>3</sup>, 大野 欽司<sup>3</sup>, 武田 伸一<sup>4</sup>, 山田 治基<sup>5</sup>, 土田 邦博<sup>6</sup>

(<sup>1</sup>東京都健康長寿医療センター 老年病態研究チーム 運動器医学, <sup>2</sup>大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野, <sup>3</sup>名古屋大学大学院医学系研究科 神経遺伝情報学, <sup>4</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, <sup>5</sup>藤田保健衛生大学 整形外科, <sup>6</sup>藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 難病治療学)

13. **骨髄間葉系幹細胞と損傷組織のクロストークによる生体組織再生誘導メカニズムを利用した筋ジストロフィー治療の可能性** **【招待発表者】**

○玉井 克人<sup>1</sup>, 藤田 諒<sup>1,2</sup>, 相川 恵梨子<sup>1</sup>, 新保 敬史<sup>1</sup>, 菊池 康<sup>1</sup>, 金田 安史<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>大阪大学大学院医学系研究科再生誘導医学寄附講座, <sup>2</sup>大阪大学大学院医学系研究科遺伝子治療学)

14. **iPS 細胞由来骨格筋幹細胞を用いた細胞移植治療法の開発**

○櫻井 英俊<sup>1</sup>, 田積 充年<sup>1</sup>, 高山 了<sup>1</sup>, 竹中 菜々<sup>1</sup>, 趙 明明<sup>1</sup>, 佐藤 優江<sup>1</sup>, 池谷 真<sup>1</sup>, 堀田 秋津<sup>1</sup>  
佐藤 貴彦<sup>2</sup>, 伊東 佑太<sup>3</sup>

(<sup>1</sup>京都大学 iPS 細胞研究所, <sup>2</sup>京都府立医科大学, <sup>3</sup>名古屋学院大学)

15. **筋ジストロフィーに対する ES 細胞由来再生医療等製品の開発**

○梅澤 明弘<sup>1</sup>, 豊田 雅士<sup>2</sup>, 安藤 祐<sup>1</sup>, 齋藤 真梨恵<sup>1</sup>

(<sup>1</sup>国立成育医療研究センター, <sup>2</sup>東京都健康長寿医療研究センター)

16. **遺伝性筋疾患の病態解明と治療法の開発**

— 優性遺伝型 VI 型コラーゲン関連ミオパチーに対する治療戦略 —

○野口 悟, 小川 恵, 宮川 美保, 西野 一三

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部)

\*\*\*\*\*

懇親会

18:00~20:00

\*\*\*\*\*

## 第2日目 平成29年12月6日(水)

Session VI エクソン・スキップ治療

9:00~10:20

座長 青木 吉嗣

### 17. エクソン・スキップ治療の効果向上を目的とした、骨格筋・心筋への核酸取り込み機序の解明

#### — 超高感度定量プロテオミクスによる筋ジストロフィー骨格筋の老化機構解明と治療法開発 —

○青木 吉嗣<sup>1,2</sup>, Tirsia LE van Westering<sup>2</sup>, Henrik J Johansson<sup>3</sup>, 瀬戸 美也子<sup>1</sup>, 谷端 淳<sup>1</sup>, Janne Lehtiö<sup>3</sup>, 横田 俊文<sup>4</sup>, Matthew JA Wood<sup>2</sup>, Thomas C Roberts<sup>2,5</sup>, 武田 伸一<sup>1</sup>

(<sup>1</sup>Dept of Molecular Therapy, National Center of Neurology and Psychiatry (NCNP), Japan, <sup>2</sup> Dept of Physiology, Anatomy and Genetics, University of Oxford, UK, <sup>3</sup> Dept of Oncology/Pathology, Cancer proteomics Mass Spectrometry, Karolinska Institutet, Sweden, <sup>4</sup> Dept of Medical Genetics, School of Human Development, University of Alberta, Canada, <sup>5</sup> Sanford Burnham Prebys Medical Discovery Institute, USA)

### 18. 化学修飾人工核酸を用いる新しい筋ジストロフィー治療薬の開発

#### — 筋ジストロフィーの治療薬にむけた2'-修飾核酸合成法の開発 —

○清尾 康志<sup>1</sup>, 正木 慶昭<sup>1</sup>, 入山 友輔<sup>2</sup>, 中嶋 宏之<sup>2</sup>, 金木 達朗<sup>2</sup>, 黒田 雄介<sup>2</sup>, 古川 賢<sup>2</sup>, 谷端 淳<sup>3</sup>  
永田 哲也<sup>4</sup>, 武田 伸一<sup>5</sup>

(<sup>1</sup>東京工業大学 生命理工学院, <sup>2</sup>日産化学工業株式会社, <sup>3</sup>東京慈恵会医科大学 細胞生理学講座, <sup>4</sup>東京医科歯科大学 大学院医歯学総合研究科, <sup>5</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

### 19. ジストロフィンエクソンスキッピングにおける ENA アンチセンス核酸 DS-5141b の特性

松尾 雅文<sup>1</sup>, ○高石 巨澄<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, <sup>2</sup>第一三共株式会社 希少疾患・LCM ラボラトリー 2G)

### 20. 顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー(FSHD)に対するアンチセンス治療の開発

【招待発表者】

○横田 俊文<sup>1</sup>, Ashley Guncay<sup>1</sup>, Kenji RQ Lim<sup>1</sup>, 丸山 理香<sup>1</sup>, Yi-Wen Chen<sup>2</sup>

(<sup>1</sup> University of Alberta, Faculty of Medicine and Dentistry, <sup>2</sup> Children's National Health Systems (Washington DC))

21. ジストロフィン遺伝子産物の多様性の解明とその治療への応用

—横紋筋肉腫に見られる高レベルの DMD 遺伝子のイントロンリテンション—

○松尾 雅文<sup>1</sup>, Emma Tabe Eko Niba<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, <sup>2</sup>神戸大学大学院医学研究科分子疫学)

\*\*\*\*\*

休 憩

10:20~10:30

\*\*\*\*\*

Session VII 特別講演 2

10:30~11:30

座 長 武田 伸一

22. Integration of biomarkers into clinical trials for DMD

【招待発表者】

○Eric Hoffman

(Binghamton University)

\*\*\*\*\* 班員会議 教育研修棟ユニバーサルホール 多目的室 11:30~12:45 \*\*\*\*\*

Session VIII 遺伝子治療

12:45~13:30

座 長 堀田 秋津

23. DMD に対する遺伝子細胞治療の基盤技術開発

—AAV ベクターを用いた DMD 遺伝子治療と情動評価—

岡田 尚巳<sup>1,2</sup>, ○喜納 裕美<sup>1,2,3</sup>, 笠原 優子<sup>1,2,3</sup>, 倉岡 睦季<sup>3</sup>, 岡田 浩典<sup>2,3</sup>, 今川 究<sup>4</sup>, 平戸 徹<sup>4</sup>, 武田 伸一<sup>3</sup>

(<sup>1</sup>日本医科大学大学院 細胞遺伝子治療学, <sup>2</sup>日本医科大学 生化学・分子生物学(分子遺伝学), <sup>3</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, <sup>4</sup>JCR ファーマ株式会社)

24. ゲノム編集技術を用いた筋ジストロフィーの遺伝子治療法開発

○堀田 秋津

(京都大学 iPS 細胞研究所)

25. マウス筋肉組織におけるエキソスキッピングを誘導する低分子化合物の開発研究  
—Sfpq 欠損マウスを用いた、ジストロフィンを初めとする超長鎖遺伝子の転写伸長制御機構の解明と、  
疾患モデルへの応用—

萩原 正敏, 佐古 有季哉, ○細川 元靖

(京都大学大学院医学研究科・形態形成機構学分野)

\*\*\*\*\*

休 憩

13:30~13:40

\*\*\*\*\*

Session IX 薬物治療

13:40~14:25

座 長 岩田 裕子

26. ストレッチ感受性チャネルを標的とした筋変性新規治療薬の開発  
—ジストロフィン欠損モデル動物を用いた検討—

○岩田 裕子<sup>1</sup>, 平山 円<sup>1</sup>, 有竹 浩介<sup>2</sup>, 裏出 良博<sup>3</sup>

(<sup>1</sup>国立循環器病研究センター 臨床研究部, <sup>2</sup>第一薬科大学 薬品作用学, <sup>3</sup>筑波大学 国際統合睡眠医科学研究機構)

27. 筋ジストロフィーの進行性軽減療法の開発

—デュシェンヌ型筋ジストロフィー・モデルマウスの骨格筋変性及び、T3 誘発性心筋変性に対するプロスタ  
グランジンD2受容体拮抗薬の投与効果—

○裏出 良博<sup>1</sup>, 永田 奈々恵<sup>1</sup>, 岩田 裕子<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>筑波大学 国際統合睡眠医科学研究機構, <sup>2</sup>国立循環器病研究センター )

28. 筋ジストロフィー治療方法開発へ向けた骨格筋再生療法の開発

—持続型 G-CSF をもちいた DMD 治療の有効性の検討—

湯浅 慎介<sup>1</sup>, ○林地 のぞみ<sup>1</sup>, 鈴木 友子<sup>2</sup>, 武田 伸一<sup>2</sup>

(<sup>1</sup>慶應義塾大学 医学部 循環器内科教室, <sup>2</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

\*\*\*\*\*

コーヒーブレイク

14:25~14:45

\*\*\*\*\*



29. Simple Western<sup>®</sup>による骨格筋組織中の dystrophin の定量

松尾 雅文, ○川口 達也

(神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, 第一三共 RD ノバーレ株式会社 創薬基盤研究部 生物解析・病理グループ)

30. ジストロフィン Dp116 を欠損した DMD 例は心筋障害の発症が遅い

松尾 雅文<sup>1</sup>, ○山本 哲志<sup>2</sup>, 栗野 宏之<sup>3</sup>, 松本 真明<sup>3</sup>, 永井 正志<sup>3</sup>

(<sup>1</sup>神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, <sup>2</sup>神戸大学医学部附属病院 検査部, <sup>3</sup>神戸大学大学院, 医学研究科 小児科学)

\*\*\*\*\* 休憩 15:15~15:25 \*\*\*\*\*

31. 筋ジストロフィー関連モデルマウスの生産供給システムの検討

—筋ジストロフィー関連モデル動物の品質管理について—

○保田 昌彦, 小倉 智幸, 水澤 卓馬, 何 裕遥, 後藤 元人, 高橋 利一, 位高 美香, 川井 健司

(公益財団法人実験動物中央研究所)

32. 加速度・角速度センサを用いたイヌ筋ジストロフィーモデルの運動機能評価

武田 伸一<sup>1</sup>, ○倉岡 睦季<sup>1</sup>, 笠原 優子<sup>1,2</sup>, 立森 久照<sup>3</sup>, 加藤 直広<sup>3</sup>, 柴崎 浩之<sup>1,4</sup>, 邢 明彦<sup>5</sup>, 青木 吉嗣<sup>1</sup>  
木村 円<sup>1,6</sup>

(<sup>1</sup>国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, <sup>2</sup>日本医科大学 生化学・分子生物学(分子遺伝学), <sup>3</sup>国立精神・神経医療研究センター 精神保健研究所 精神疾患病態研究部, <sup>4</sup>東京理科大学大学院 薬学部 遺伝子制御学, <sup>5</sup>信州大学 医学部, <sup>6</sup>国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター)

**33. 遺伝子医療とピアカウンセラーの役割**

**ー遺伝子医療における患者・家族の意識調査ー**

貝谷 久宣, ○井原 千琴, 貝谷 嘉洋, 竹田 保, 大島 松樹, 新宮 武徳, 小林 喜三重, 田野 芳博, 白木 洋  
矢澤 健司, 佐藤 隆雄

(一般社団法人日本筋ジストロフィー協会)

**閉会の挨拶**

**16:10**

**主任研究者 武田 伸一**

国立研究開発法人

# 国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

< 詳細地図 >



萩山駅から徒歩約7分  
バリアフリーで病院に  
行けます

タクシーご利用  
の方は小平駅南  
口が便利です

国立研究開発法人  
国立精神・神経医療研究センター  
NCNP

〒187-8551 東京都小平市小川東町4-1-1  
代表: 042-341-2711

新小平駅から徒歩約10分  
駅にタクシー乗場があり  
ます

国立研究開発法人

# 国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

<センター内地図>



## 駐車場料金

料金区分		30分まで	30分以上
一般の方	昼間 (7:00~18:30)	無料	200円/1時間 (2時間定価は100円)
	夜間 (18:30~7:00)	無料	300円/1時間
受診患者の方 *但し、30分以上となった場合は ⑤合計受付窓口に表示して下さい		無料	100円/当日の退場まで

(地図上マークの説明)

- 屋根付き通路
- AED設置場所
- 外来者専用駐車場
- ポスト
- 専用駐車場
- 公衆電話
- 職員駐車場
- レストラン
- 駐車料金精算機
- コンビニエンスストア
- 駐輪場
- ATM
- タクシー乗場
- タリーズコーヒー

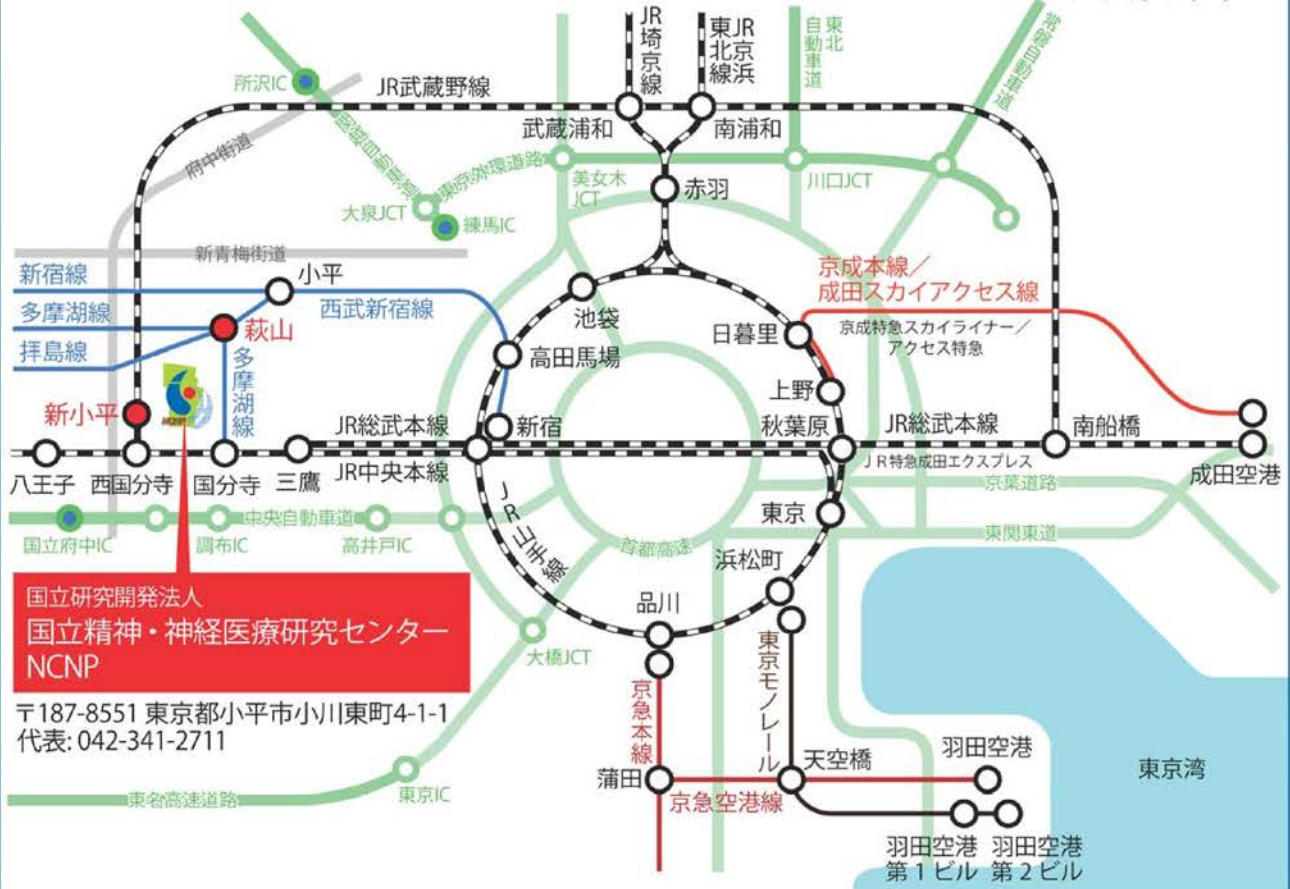
(注意) 駐車料金精算機がありませんので  
事前精算されていない方は出られません



国立研究開発法人

# 国立精神・神経医療研究センター(NCNP)

< 広域地図 >



国立研究開発法人  
国立精神・神経医療研究センター  
NCNP

〒187-8551 東京都小平市小川東町4-1-1  
代表: 042-341-2711

新宿から	西武新宿線利用 (約30分)	西武新宿	高田馬場	西武新宿線	小平	多摩湖・ 拝島線	萩山	300円	*小平からタクシー利用の場合約10分¥800程度			
	JR中央線利用 (約40分)	新宿	JR中央・青梅線	国分寺	西武多摩湖線	萩山	390円	180円	*国分寺からタクシー利用の場合約20分¥1,800程度			
羽田空港から	東京モノレール空港快速利用 (約1時間30分)	羽田空港	東京モノレール空港快速	浜松町	JR山手線外回り	高田馬場	西武新宿線	小平	萩山	490円	260円	300円
	京急空港線エアポート急行利用 (約1時間30分)	羽田空港	京急空港線エアポート急行	品川	JR山手線外回り	高田馬場	西武新宿線	小平	萩山	410円	200円	300円
成田空港から	JR特急成田エクスプレス利用 (約2時間)	成田空港	JR特急成田エクスプレス	新宿	JR山手線外回り	高田馬場	西武新宿線	小平	萩山	1,490円+特急料金1,700円(通常期)	300円	
	京成スカイライナー利用 (約1時間30分)	成田空港	京成特急スカイライナー	日暮里	JR山手線内回り	高田馬場	西武新宿線	小平	萩山	1,240円+特急料金1,230円	170円	300円
お車でお越しの方	関越自動車道 所沢 IC	関越自動車道	所沢 IC	国道463号線	府中街道	一般道路	NCNP	八坂				
	練馬 IC	関越自動車道	練馬 IC	富士街道	新青梅街道	一般道路	NCNP	蒲山南				
	中央道 国立・府中 IC	中央自動車道	国立・府中 IC	甲州街道	府中街道	一般道路	NCNP	小平六小				

\* タクシー利用時の時間・料金はおよその目安です。交通事情により変動いたしますのでご了承ください。\* 情報は平成27年4月現在